

C2申請「Cellex ECP システム」

○保険医療材料等専門組織委員長

では、最初にC2申請「Cellex ECP システム」につきまして御審議いただきます。  
まずは事務局から説明をお願いいたします。

○事務局

（事務局より、保険適用原案について説明。）

○保険医療材料等専門組織委員長

ありがとうございました。

審議に先立ちまして、製造販売業者から意見表明を聞くこととなっております。

では、事務局はヴォーバル・テクノロジーズ株式会社の方にウェブ会議へ参加していただいでください。

（意見表明者入室）

○保険医療材料等専門組織委員長

私は、保険医療材料等専門組織委員長の小澤でございます。早速ですが、6分以内で意見を述べてください。

○意見表明者

8ページ目、ヴォーバル・テクノロジーズ株式会社の意見表明を始めさせていただきます。

私、□□□より、Cellex ECPシステムの保険適用希望書につきまして御説明を申し上げます。

10ページ目、「本品の概要」です。

Cellex ECPシステムは医療ニーズ指定、希少疾病用医療機器の指定を受け、優先審査品目の新医療機器として2020年12月に承認を取得しております。

使用目的は、ステロイド抵抗性または不耐容の慢性GVHDに対する体外フォトフェレーシス治療になります。当体外フォトフェレーシスシステムは本邦で初の機序を有し、一連の工程を完全閉鎖式に行うことが可能となるシステムです。

11ページ目、「希望書の概要」です。

希望区分は、類似機能区分がないC2で、原価計算方式による算定を希望いたしております。Cellex ECP本体及びUVAランプは新規技術料にて、キット、メトキサレン溶液は特定保険医療材料費にて評価いただくことを希望し、希望価格は22万3000円、外国平均価格の1.5倍となります。

準用希望技術はK921-1、造血幹細胞採取（一連につき）イの2万1640点でございます。

14ページ目、推定適用患者数と予測販売高です。

日本造血細胞移植データセンターにより公開されているデータを基に、慢性GVHDの患者

数を推定いたしました。

Cellexの推定適用患者数はお示しのとおり、ピーク時であっても38名程度の患者数が対象になると考えております。

15ページ目、「既存の技術」「現状の課題・アンメットニーズ」につきましてお示しをいたします。

日本造血免疫細胞療法学会のGVHDガイドラインにより抜粋をいたしております。慢性GVHDの一次療法として投与されるステロイドが奏功しない場合、二次療法に進みます。本邦に限らず、海外においても二次治療の標準療法は確立されておらず、保険診療で可能となる治療法はさらに限定的でございます。したがって、当該システムが市場導入されることにより、二次療法の治療選択肢の一つとして保険診療内で治療が可能になると考えております。

16ページ目、「本品の有用性」です。

本品の有効性及び安全性を評価するために、本邦において臨床試験を実施いたしました。オーファン指定であることから、単群での試験で被験者は15例、かつ完了例は12例となりました。治療開始24週目に、各臓器における治療効果とステロイドの変化量を組み合わせて評価をいたしました。

17ページ目、有用性についてです。

治療後24週目のPPSの評価で12例中8例、66.7%、FAS解析対象集団では15例中8例の53.3%に有効性が確認されました。

18ページ目、安全性についてです。

有害事象は全例に発現いたしておりますが、その多くは原疾患や合併症、あるいはステロイドや免疫抑制剤等の長期使用に伴う副作用として通常認められる事象でございました。機器の不具合は、本件に6件、キットに12件、本件またはキットに3件であり、これらによる健康被害の影響はございませんでした。

19ページ目、「補正加算の根拠」になります。

標準的な治療スケジュールは御覧のとおりでございます。24週までに31回の治療を実施いたします。患者さんの血液をアフエレーシスし、遠心分離することで白血球層である Buffy Coat を分離採取いたします。Buffy Coat にメトキサレン溶液を注入後、紫外線A波を照射することでアポトーシスを誘発します。これらアポトーシスが誘発された白血球を患者さんに返血することで免疫システムを調整いたします。

22ページ目、最後でございますが、経済上の有用性につきまして御説明を申し上げます。

ECPが市場導入されることによって、御覧の2点において医療費用は約□□□をいたします。

一方、当機器による治療により、医療費用の減少効果が□□□円、これを加味しますと医療費全体に与える影響額は約□□□円と推計されました。

○意見表明者

これより、□□□が説明を引き継ぎます。

現状では、治療抵抗性慢性GVHDに対する有効な治療法は限られており、保険適用のある治療はイブルチニブのみです。12歳未満の患者には選択肢がないのが現状です。

実臨床ではステロイド以外の免疫抑制剤がそれ以降の治療に用いられておりますが、長期にわたって患者を著しい免疫抑制状態に置くことになり、感染症の合併などによって致命的な経過をたどることが少なくありません。

これらのスタンダードラインの薬剤治療と異なり、ECPは免疫を抑制することなく、免疫寛容を誘導する画期的な治療であります。この治療はin vitroでT細胞のアポトーシスを誘導し、それを再び体内に戻して免疫寛容を樹立する治療法であり、既存の白血球除去や血漿療法とは大きく異なります。

我々は日本造血細胞移植学会と連携し、当局指示により国内治験を実施し、疾患の希少性と患者の重症度を勘案し、3施設15症例で治験を実施し、その有効性と安全性を確認しました。今後は学会のGVHDレジストリと連携し、ECPのリアルワールドデータを収集、解析し、それに基づいた日本におけるECPの治療アルゴリズムの位置づけを明らかにする予定です。

ECPの効率的な利用を考え、学会としては広くECPを普及するのではなく、□□□、効率よく治療をタイムリーに受けられる体制を構築することを検討しております。

このような施設では、アフエレーシスのインフラはある程度整っておりますので、効率よくタイムリーにECPを施行できる体制を維持することを踏まえた価格設定が望まれると考えます。

以上です。

○保険医療材料等専門組織委員長

ありがとうございます。

それでは、委員の方から御質問はございますでしょうか。

○委員

臨床試験のもので15例の中で結構不具合というものが多かったように思うのですが、臨床の現場で混乱とかなかったのかということと、メーカーの対応を教えてくださいませんか。

○意見表明者

大きな不具合はなかったと思います。

○委員

では、これはそんなに問題にならなかったのですか。15例のところでは12例とか6件とか書いてあったので、ちょっと気になったのですけれども。

○意見表明者

15例といいますのは治験にエントリーされた患者さんの数で、希少性が高い疾患でございますので15例で治験を実施したということでございます。

○委員

では、問題なかったということによろしいのですか。

○意見表明者

はい、そのとおりでございます。

○委員

分かりました。ありがとうございます。

○保険医療材料等専門組織委員長

ほかに御質問ございますでしょうか。

よろしいでしょうか。

それでは、これで意見表明の聴取を終了いたします。意見表明者は御退室ください。

(意見表明者退室)

○保険医療材料等専門組織委員長

それでは、保険適用原案につきまして御議論をお願いいたします。

いかがでしょうか。特に御意見、御質問ございませんか。よろしいでしょうか。

それでは、議決とさせていただきたいと思います。久松委員におかれましては議決の間、一時御退席をお願いいたします。

(久松委員退室)

○保険医療材料等専門組織委員長

それでは、久松委員を除く先生方の御意見を集約いたしますと、「Celllex ECP システム」、決定区分C2、償還価格18万9000円ということによろしいでしょうか。

ありがとうございます。

それでは、事務局から久松委員に入室いただいでください。

(久松委員入室)